

Net Benefit: An alternative effect measure for time-to-event data

がん領域の第 III 相試験などを中心に、time-to-event データに対する治療効果の指標としてはハザード比が標準的に用いられている。一方で、比例ハザード性が成立しない状況が昨今増えてきたことやハザード比自体の臨床的な解釈の難しさが指摘されていることから、ハザード比に替わる指標の必要性も認識されている。

Net Benefit は、試験群と対照群からそれぞれランダムに一人ずつ対象者を選んだときの、(試験群の対象者の生存が長い確率 - 対照群の対象者の生存が長い確率) で定義され、他領域でよく知られた C-index, Kendall's tau, Probabilistic index などと関連のある指標である。比例ハザード性が成立しない場合にも適用可能である点や直感的にも解釈しやすい点などから、time-to-event データに対する治療効果の指標として Net Benefit を用いることが近年提唱されている。

本発表では、Net Benefit の理論と適用事例について概観する。また、打ち切りへの対処方法として、Inverse Probability Censoring Weight (IPCW) 法を用いた方法を新たに提案し、シミュレーション実験の結果とともに報告する。

References

- Saad, E.D., Zalcberg, J.R., Peron, J., Coart, E., Burzykowski, T. and Buyse, M. (2018) Understanding and Communicating Measures of Treatment Effect on Survival: Can We Do Better? *Journal of the National Cancer Institute*.
- Péron, J., Roy, P., Ozenne, B., Roche, L. and Buyse, M. (2016) The net chance of a longer survival as a patient-oriented measure of treatment benefit in randomized clinical trials. *JAMA Oncology*, **2**, 901–905.
- Péron, J., Buyse, M., Ozenne, B., Roche, L. and Roy, P. (2016) An extension of generalized pairwise comparisons for prioritized outcomes in the presence of censoring. *Statistical Methods in Medical Research*, .
- Buyse, M. (2010) Generalized pairwise comparisons of prioritized outcomes in the two-sample problem. *Statistics in Medicine*, **29**, 3245–3257.